



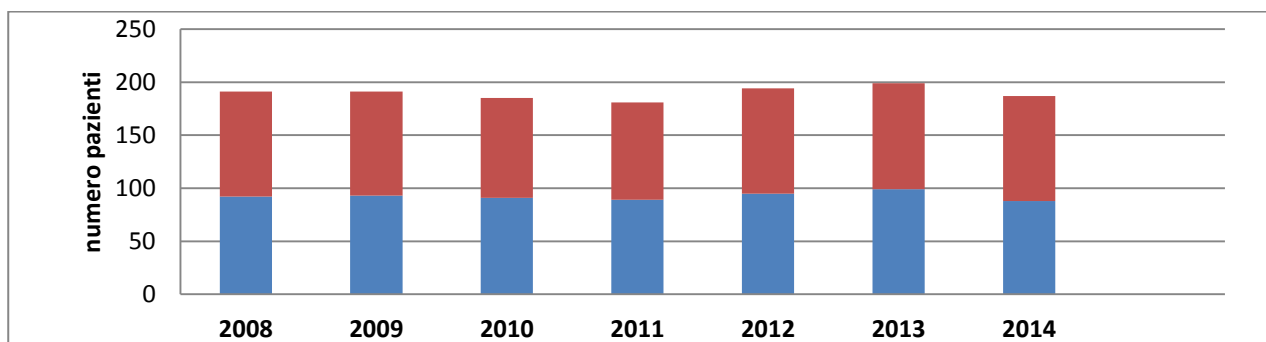
Azienda Ospedaliera Universitaria  
Dipartimento Assistenziale ad Attività Integrata di Pediatria  
Direttore Prof. R. Troncone  
Centro Regionale Fibrosi Cistica  
D.R. n.1168 del 16/03/2001

## Anno 2014

Presso L'UOS Pediatrica del Centro Fibrosi Cistica afferiscono 187 pazienti (M 88, F99; età media: 10.4, range 2 mesi-30 anni). Dati aggiornati al 30 Novembre 2014.

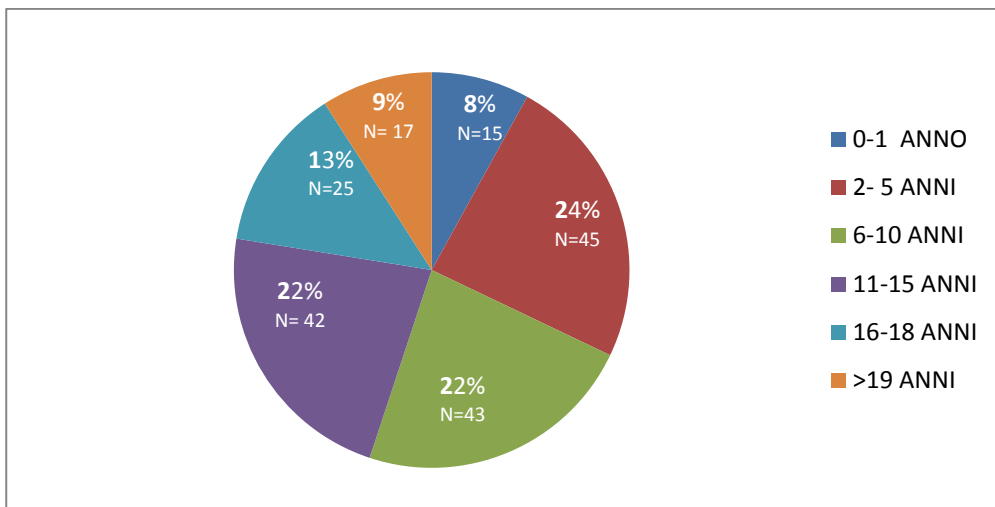
La figura 1 mostra il trend dei pazienti afferenti all' UOS Pediatrica del Centro Fibrosi Cistica nel periodo 2008-2014.

**Fig.1 Numero di pazienti, distinti per sesso, in follow-up presso l'UOS di Fibrosi Cistica nel periodo 2008-2014.**

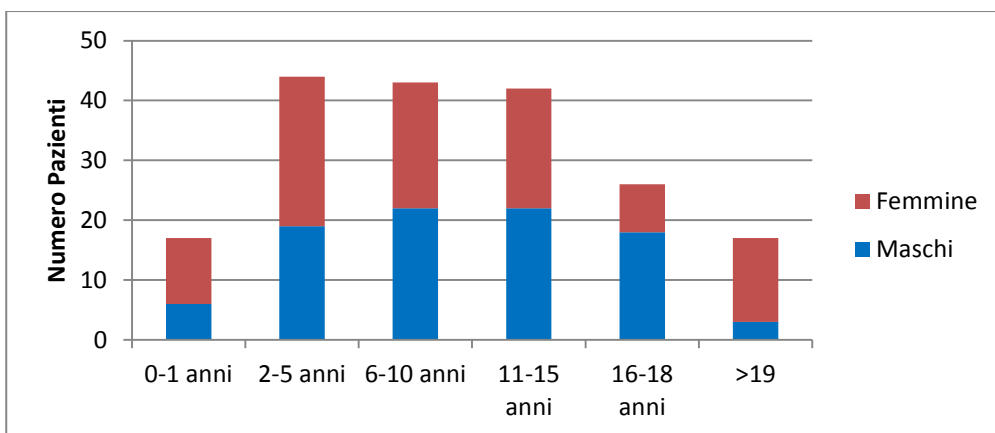


La fig. 2 e 3, rispettivamente, mostrano la distribuzione dei pazienti in follow-up al 30 Novembre 2014 per fascia di età e sesso.

**Fig.2 Distribuzione per fascia di età dei pazienti afferenti all'UOS Fibrosi Cistica Pediatrica, in regolare follow-up, aggiornati al 30 Novembre 2014**



**Fig.3 Distribuzione per fascia di età e sesso dei pazienti afferenti all'UOS Fibrosi Cistica Pediatrica, in regolare follow-up, al 30 Novembre 2014**



Andamento del numero di nuove diagnosi nel periodo 2000-2014

Fig.4. Numero di nuove diagnosi negli anni 2000-2014

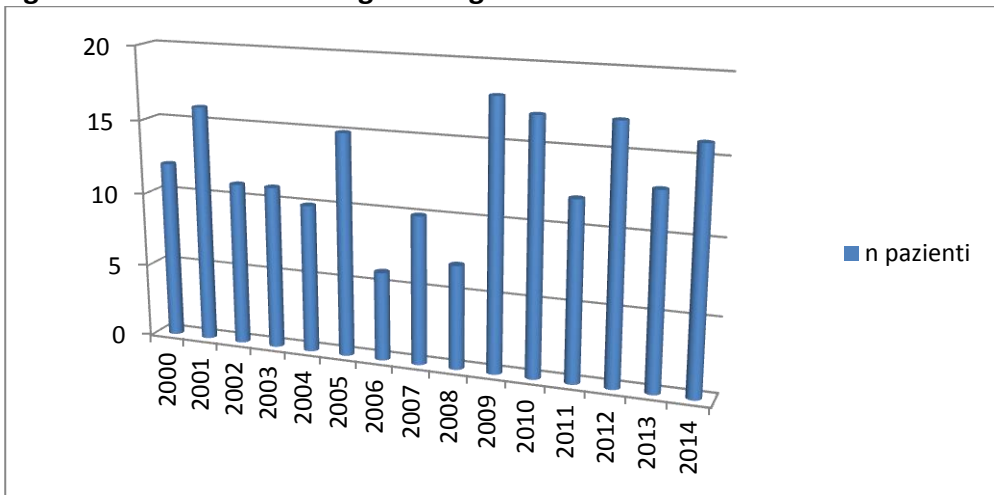
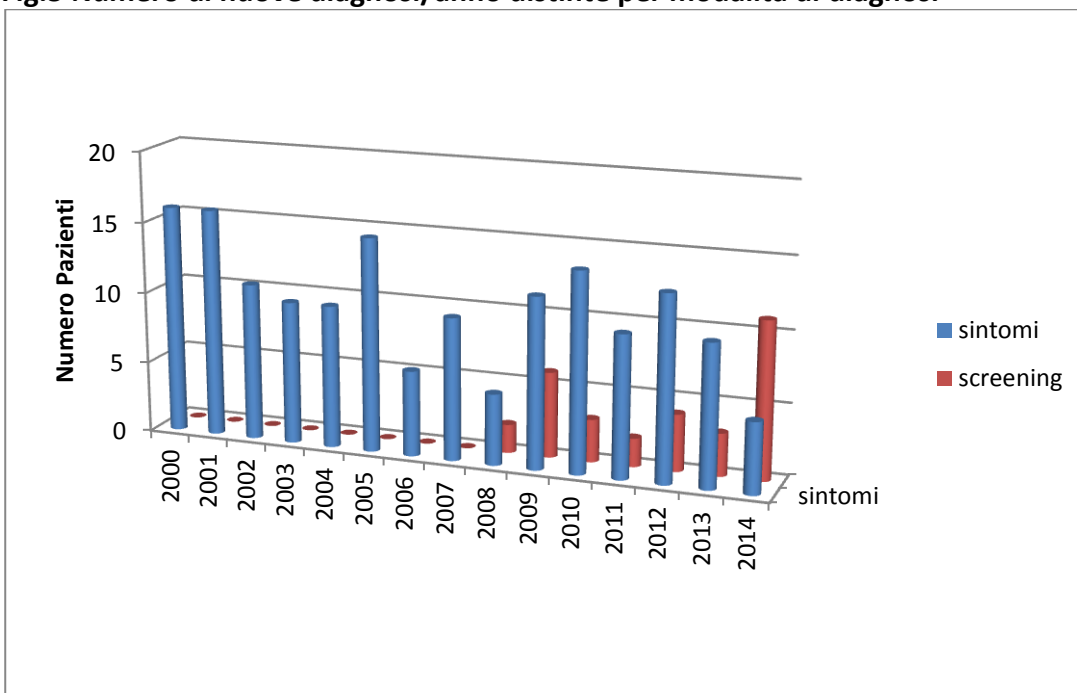


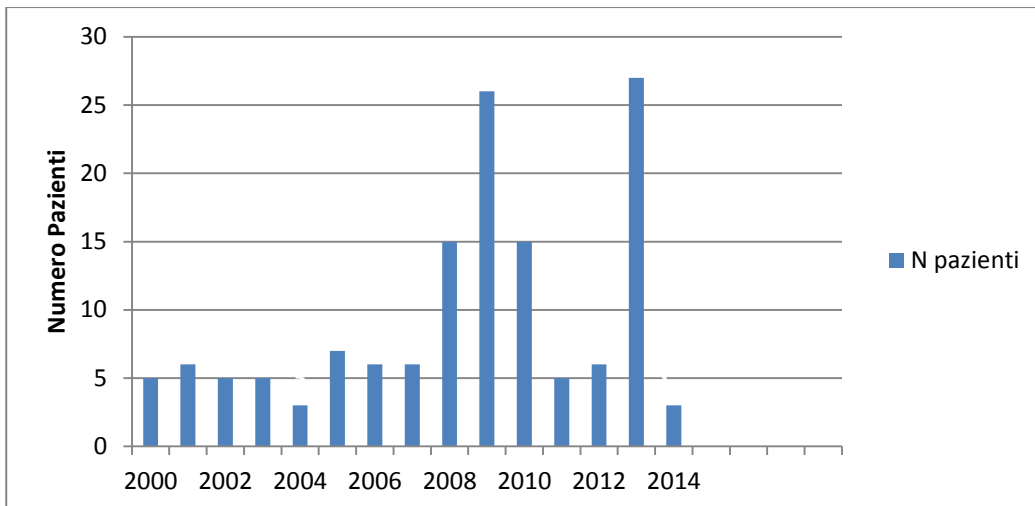
Fig.5 Numero di nuove diagnosi/anno distinte per modalità di diagnosi



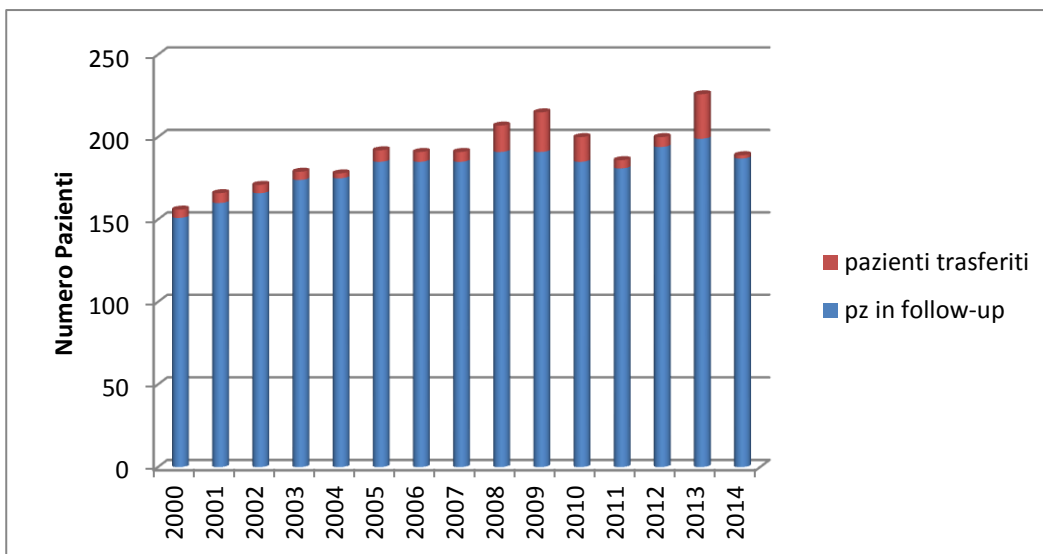
Le fig.4 e 5 mostrano l'incremento del numero di nuove diagnosi /anno registrato in seguito all'introduzione dello screening neonatale in Campania nel 2008.

Trend del numero di pazienti trasferiti dall'UOS Pediatrica al Centro FC Adulti nel periodo 2000-2014

**Fig.6 Trend del numero di pazienti > 18 anni trasferiti dall'UOS Pediatrica al Centro FC Adulti nel periodo 2000-2014**



**Fig.7 Numero di pazienti trasferiti e in follow-up nel periodo 2000-14**



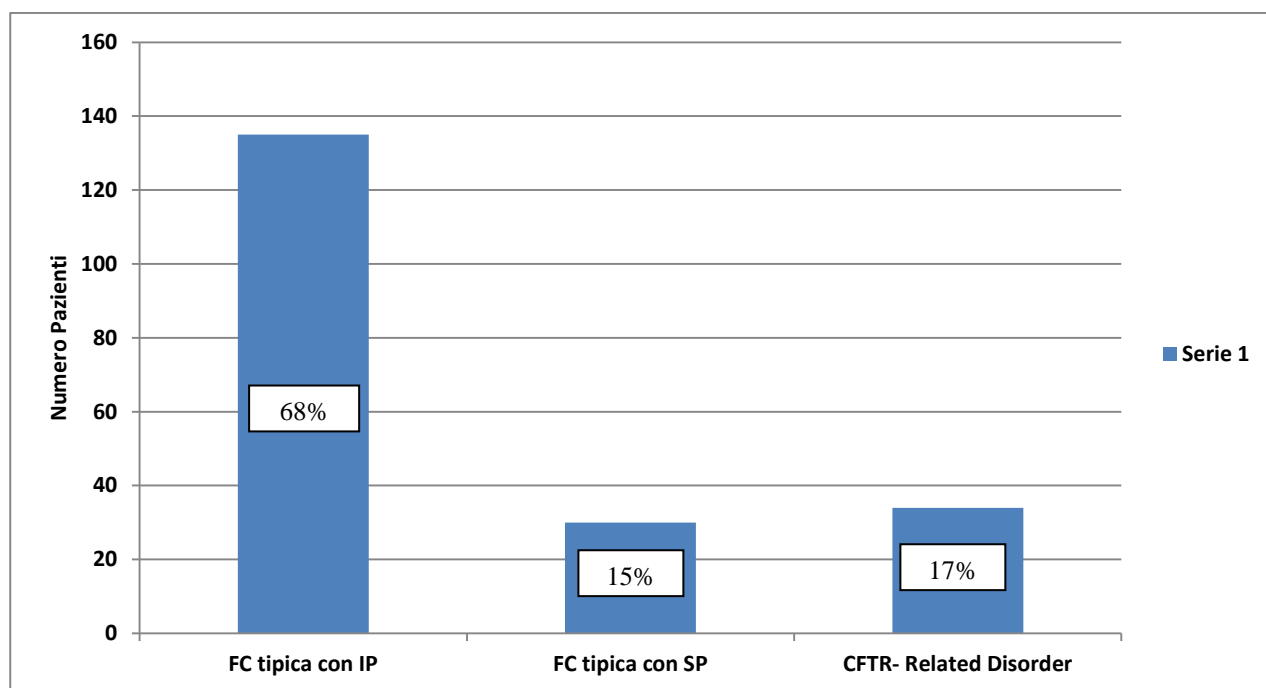
Le Fig.6 e 7 mostrano un trend in aumento del numero dei pazienti che hanno raggiunto l'età adulta e che hanno, pertanto, richiesto il trasferimento al Centro Adulti. Tale dato deriva dal miglioramento dell'aspettativa di vita dei pazienti FC conseguente al miglioramento degli standard assistenziali e alle nuove terapia disponibili.

## Caratteristiche cliniche dei pazienti seguiti presso UOS Pediatrica del Centro Regionale Campano

### Dati relativi all'anno 2013

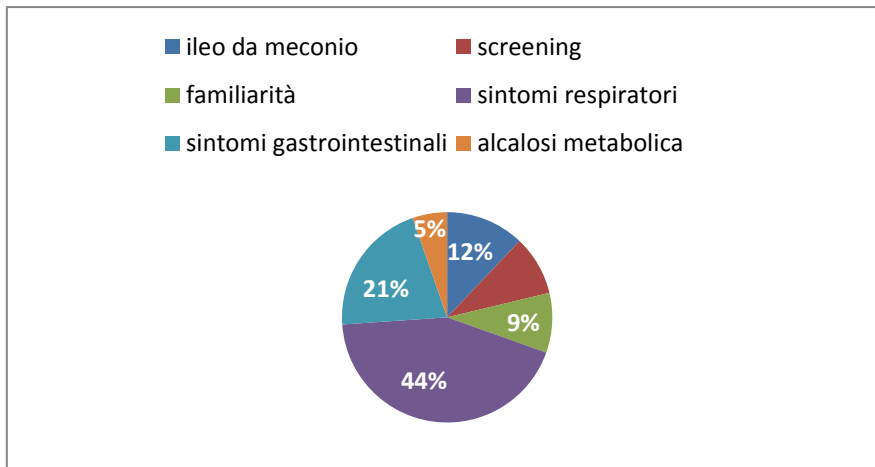
Di seguito riportiamo i dati aggiornati al 31/12/2013 relativi ai 199 pazienti in regolare follow-up, al Dicembre 2013, presso l' UOS pediatrica del Centro Regionale Campano Fibrosi Cistica (M 99, F 100; età media 11,4 anni; range 5 mesi-29 anni).

**Fig. 8 Distribuzione per forma clinica di FC**



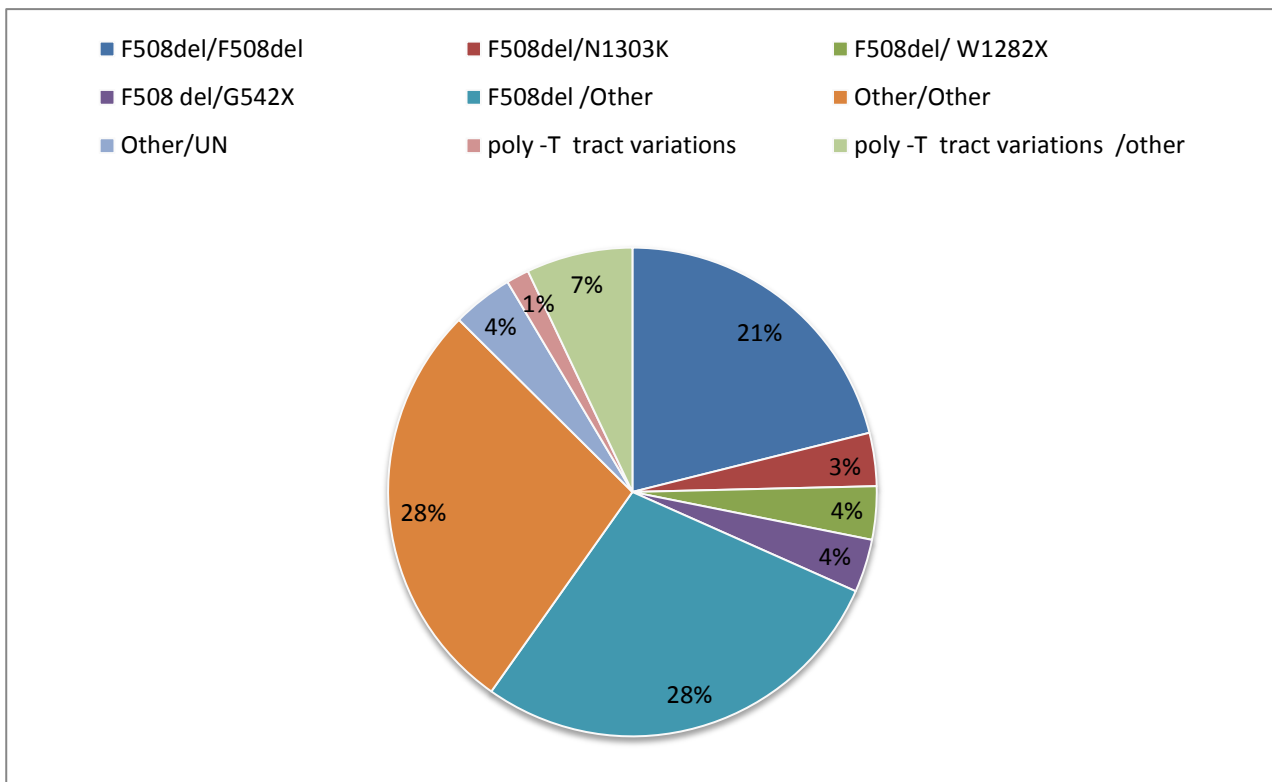
Dalla fig. 8 emerge che presso l'UOS pediatrica di FC sono in follow-up 34 pazienti con forme atipiche di FC, pari al 17% dei pazienti con FC in follow-up. Il dato è destinato sicuramente ad aumentare grazie al miglioramento delle tecniche diagnostiche e all'entrata in vigore dello screening neonatale in Campania. Dal 2008 (epoca dell'introduzione dello screening come progetto pilota) si è osservato un incremento del numero di diagnosi di CFTR-Related disorder (test del sudore normale o borderline). Tali pazienti presentano una espressività clinica ampiamente variabile che richiede una valutazione clinica a lungo termine con cadenze standardizzate.

**Fig. 9 Modalità di diagnosi di FC nei pazienti in follow-up al 2013**



Dalla **fig.9** si evince che in un'epoca in cui lo screening neonatale non è ancora obbligatorio in Campania, molti casi di fibrosi cistica in età pediatrica sono stati diagnosticati per sintomi.

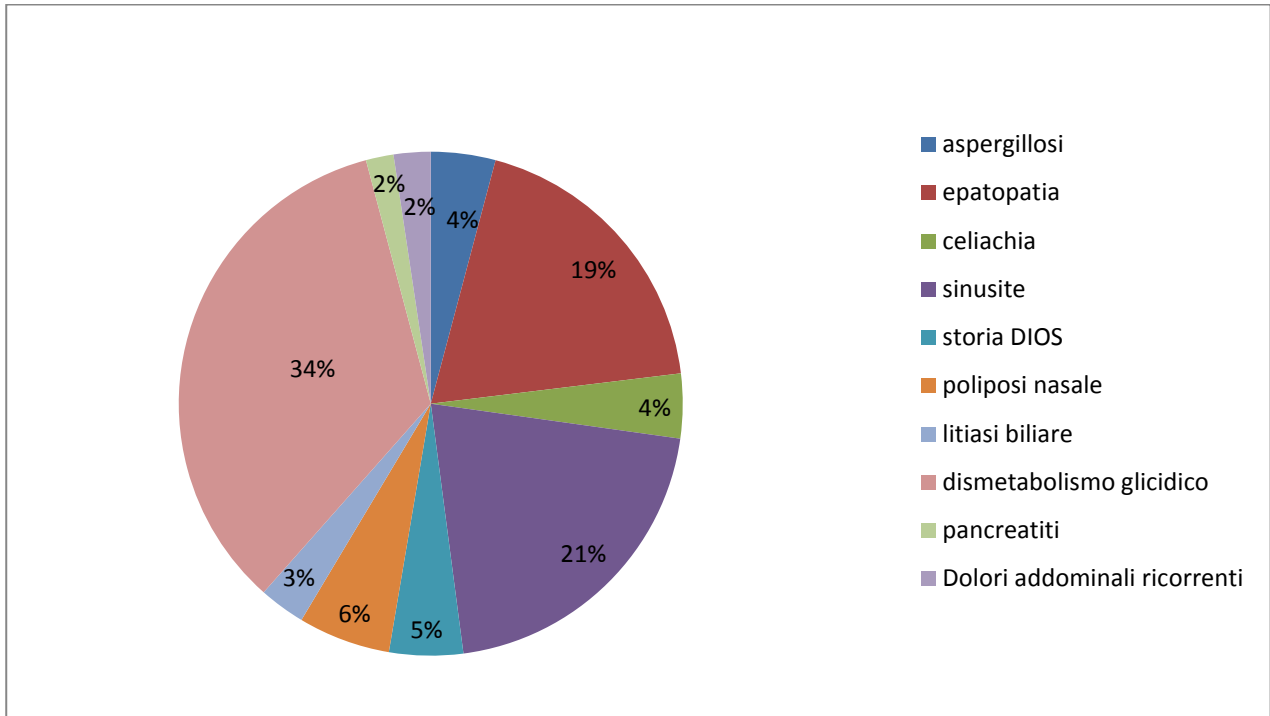
**Fig.10 Genetica dei pazienti affetti da FC con SP, FC con IP e CFTR-RD**



**SP= sufficienza Pancreatica; IP=Insufficienza Pancreatica; CFTR-RD= CFTR-Related Disorder**

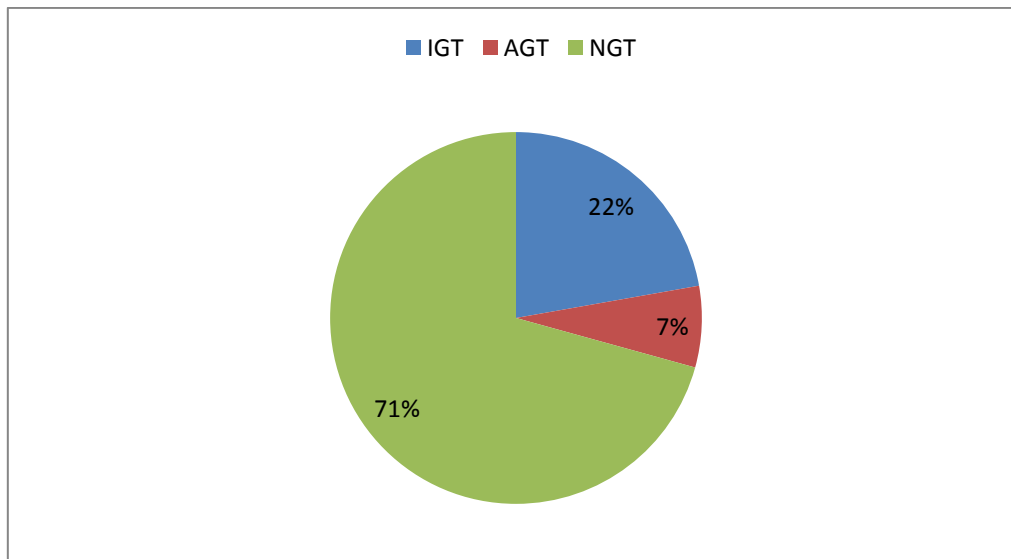
Come si osserva dalla fig.10 il 20% dei nostri pazienti è omozigote per la mutazione F508del e circa il 40% è eterozigote compound per la mutazione F508del.

**Fig.11 Rappresentazione delle principali complicanze**



**La fig. 11** mostra la distribuzione delle principali complicanze che caratterizzano il quadro clinico dei pazienti in follow-up. Il nostro Centro è dotato di un'equipe multidisciplinare e di consulenti, interni ed esterni al Dipartimento, competenti nella diagnosi e nella gestione delle complicanze della FC.

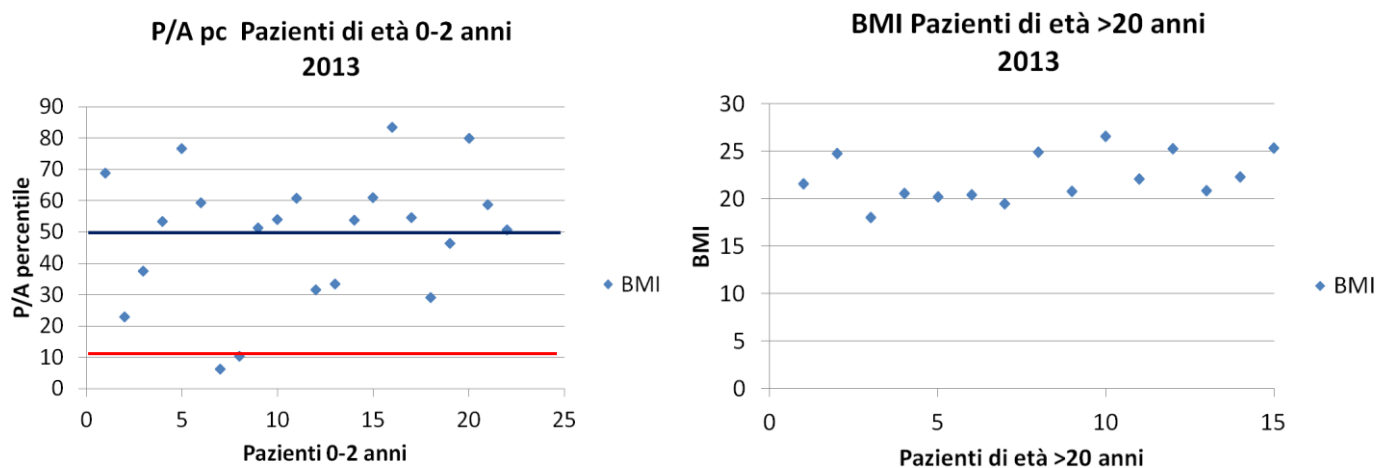
**Fig.12 Distribuzione dei pazienti > 4anni screenati per valutazione del metabolismo glicidico**



In particolare il nostro Centro, per la stretta collaborazione con i consulenti interni diabetologi pediatrici, effettua un precoce e costante monitoraggio del metabolismo glicidico. La **fig.12** illustra la distribuzione dello stato glicidico nei pazienti screenati. Lo screening del metabolismo glicidico si effettua mediante esecuzione di carico orale di glucosio (OGTT) nei pazienti collaboranti (per lo più pazienti > 4 anni). L'attento monitoraggio del metabolismo glicidico, avviato sin dalla prima infanzia, consente di diagnosticare precocemente il dismetabolismo glicidico e di evitare, pertanto, gli effetti negativi di quest'ultimo sulla funzione polmonare e sullo stato nutrizionale. Circa il 30% della nostra popolazione studiata presenta uno stato di pre-diabete. La stretta sorveglianza e il precoce intervento farmacologico con insulina a lento rilascio hanno, nel corso degli anni, azzerato il numero di casi di diabete conclamato nella nostra casistica.



**Fig.13 Stato nutrizionale dei pazienti in follow-up al 2013**

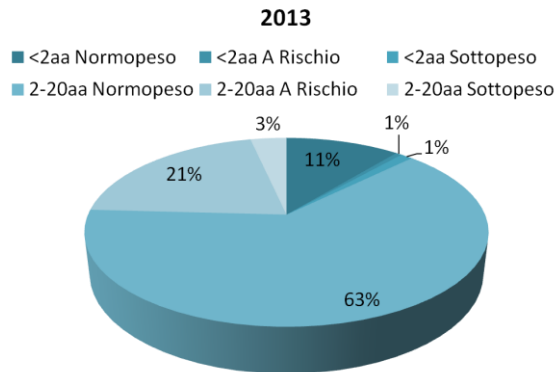


**Nella Figura 13** sono riportati i parametri nutrizionali dei pazienti FC seguiti presso l'Unità Pediatrica. Sono illustrati i valori di percentile Peso/altezza dei pazienti di età inferiore a 2 anni, e quelli del percentile del BMI per i pazienti di età compresa tra 2 e 20 anni.

I pazienti con FC possono raggiungere uno stato nutrizionale normale e una crescita adeguata al loro potenziale genetico. E' ben noto che lo stato nutrizionale rappresenta uno dei più importanti fattori prognostici per il paziente affetto da FC e viene, pertanto, strettamente monitorato ad ogni visita. La Cystic Fibrosis Foundation raccomanda che in ogni paziente vengano raggiunti parametri nutrizionali ottimali, che sono stati ben definiti per le diverse classi di età.

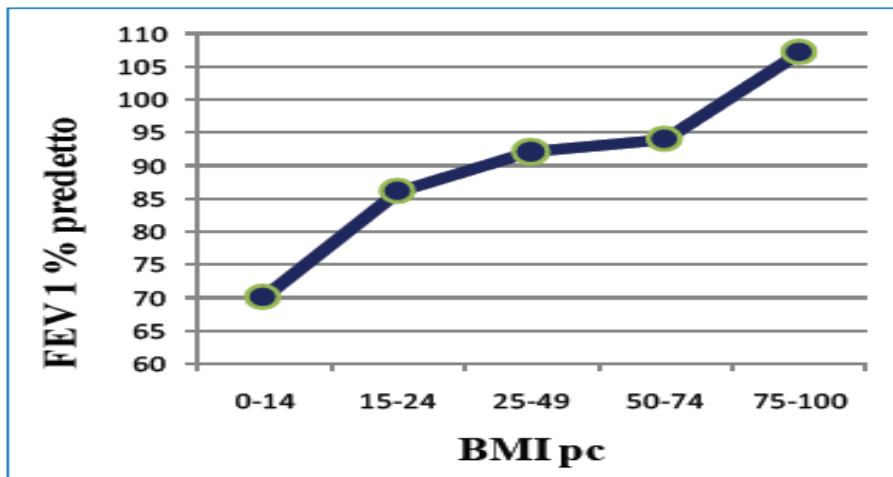
L'obiettivo nutrizionale si è recentemente spostato dalla prevenzione della malnutrizione a quello più ambizioso di raggiungere uno stato nutrizionale ottimale, in quanto associato a migliori condizioni cliniche, in particolare a una migliore funzione respiratoria.

**Fig.14 Distribuzione dei pazienti per classe di nutrizione al 2013**



Dalla **fig.14** si riscontra che i nostri pazienti presentano un soddisfacente stato nutrizionale. Solo il 2% dei pazienti in follow-up, infatti, è sottopeso. Tali risultati derivano da una costante sorveglianza nutrizionale e da un immediato intervento nutrizionale e terapeutico in caso di condizioni di rischio.

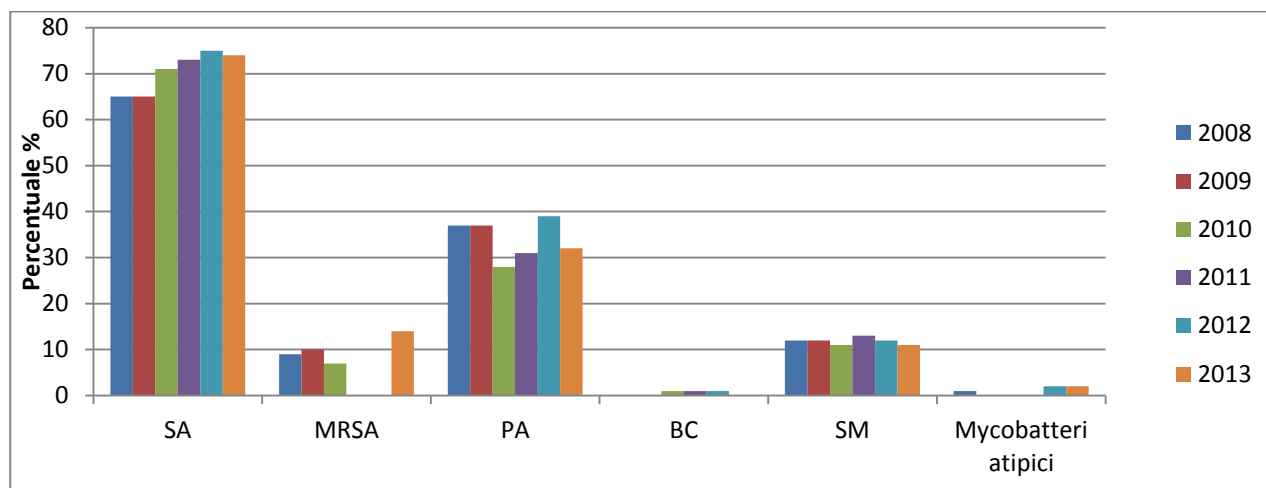
**Fig.15 Rapporto tra BMI pc e funzionalità respiratoria (FEV1%)**



La **Fig. 15** mostra l'andamento del FEV1 % in relazione al BMI pc. Si osserva una stretta relazione tra stato nutrizionale soddisfacente e una buona funzionalità polmonare.

## Andamento delle colonizzazioni batteriche al 2013

Fig.16 Percentuale di pazienti con almeno una coltura dell'escreato positiva nel corso degli anni 2008-2013 per Germi G+ e G-



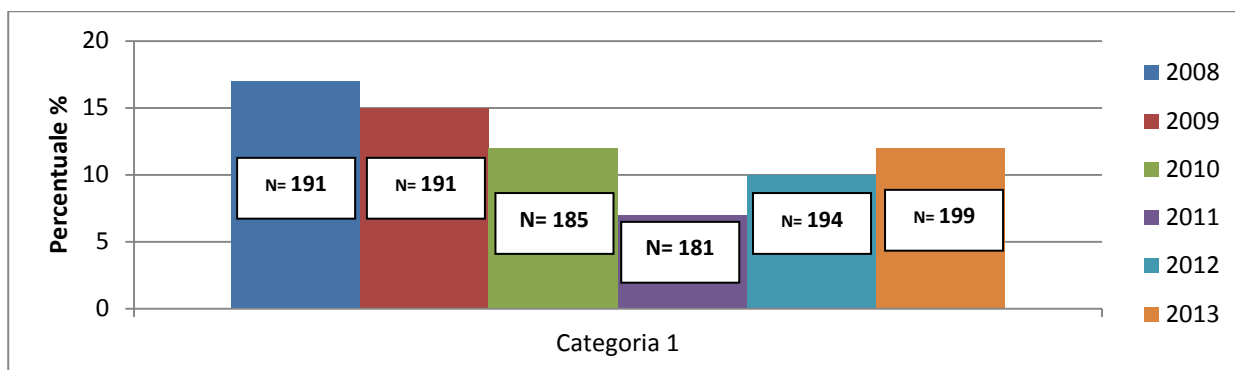
SA *Stafilococco Aureus*; MRSA *Stafilococco Aureus meticillino resistente*; PA *Pseudomonas Aeruginosa*; BC *Burkholderia cepacia*

La fig. 16 mostra la prevalenza dei microrganismi isolati dalle vie respiratorie dei pazienti afferenti all'OUS pediatrica di Fibrosi Cistica e il suo andamento negli anni

### Infezione da *Pseudomonas aeruginosa* (PA)

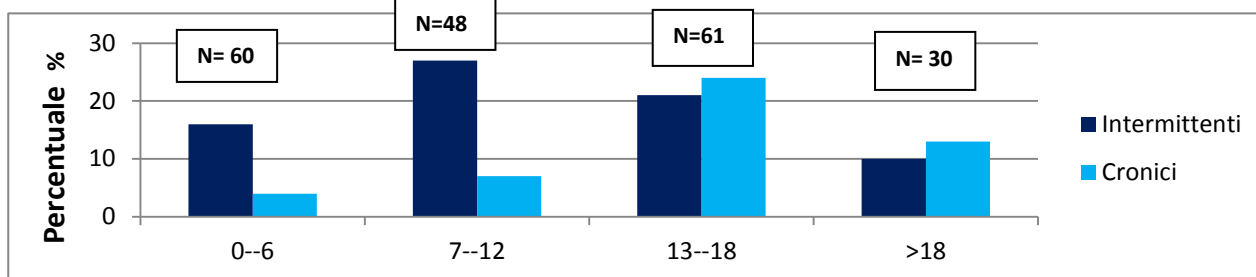
*Pseudomonas aeruginosa* (PA) rappresenta il patogeno più comune in Fibrosi Cistica. Il nostro Centro effettua una rigorosa segregazione dei pazienti con infezione cronica e intermittente da PA rispetto ai non colonizzati. L'infezione cronica è spesso preceduta da una colonizzazione intermittente. In tale fase, il riscontro precoce, seguito da un trattamento tempestivo, possono evitare la cronicizzazione dell'infezione. Il nostro Centro, pertanto, effettua una attenta sorveglianza microbiologica con almeno 4 esami culturali/anno. I pazienti con infezione da PA sono tempestivamente trattati secondo le correnti linee guida.

**Fig.17 Prevalenza dell'infezione cronica da PA negli anni 2008-2013**



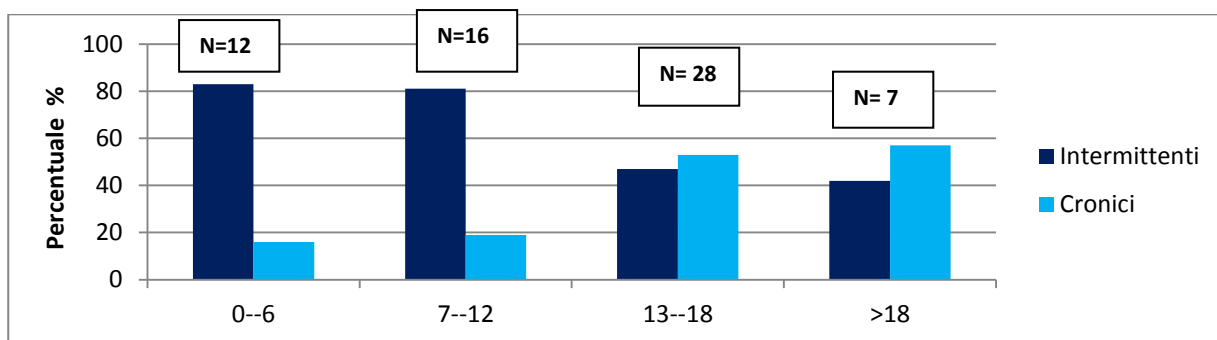
Nella fig. 17 è riportato il trend della prevalenza dell'infezione da PA. Circa il 12% dei pazienti afferenti al Centro presenta infezione cronica da PA nell'anno 2013.

**Fig. 18 Prevalenza di infezione cronica e intermittente da PA per fascia di età nell'anno 2013**



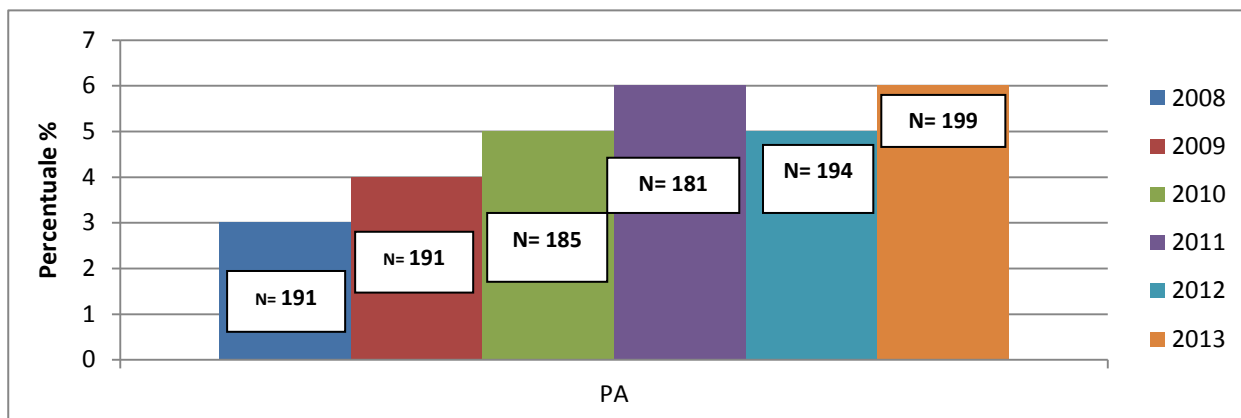
Nella fig. 18 è rappresentata la prevalenza di infezione intermittente e cronica nelle diverse fasce di età da cui è costituita l'intera popolazione FC afferente al Centro. Si osserva come fino a 12 anni la prevalenza di infezione cronica da PA è inferiore al 20%, con un progressivo aumento, fino al 24%, nella fascia tra 13 e 18 anni. La prevalenza più bassa registrata nella fascia di età > 18 anni è dovuta allo scarso numero di pazienti seguiti presso il nostro centro che è un centro pediatrico.

**Fig. 19** Prevalenza di infezione cronica ed intermittente da PA nelle diverse fasce di età della popolazione PA positiva nel 2013



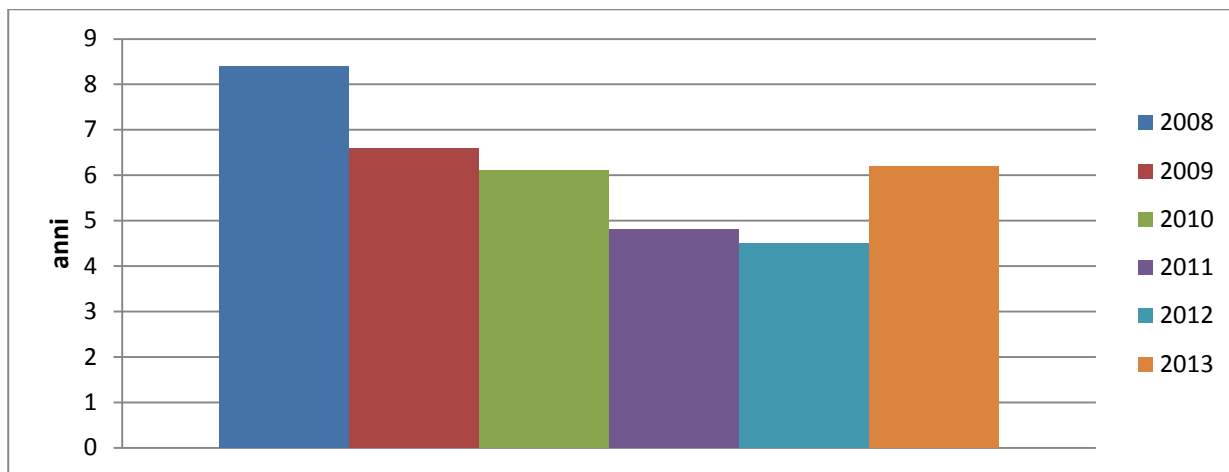
Nell'ambito dei pazienti con infezione da PA nell'anno 2013, più del 50% ha un'età > 13 anni.

**Fig.20** Incidenza di infezione da PA dal 2008 al 2013



Il lieve incremento dell'incidenza di infezione da PA riportato in fig. 20 per l'anno 2013 è riconducibile al riscontro di infezione da PA nei pazienti diagnosticati nell'anno 2013. Tali pazienti hanno storia di ricoveri presso altre strutture in epoca precedente alla diagnosi di FC e di presa in carico da parte del Centro di Cura.

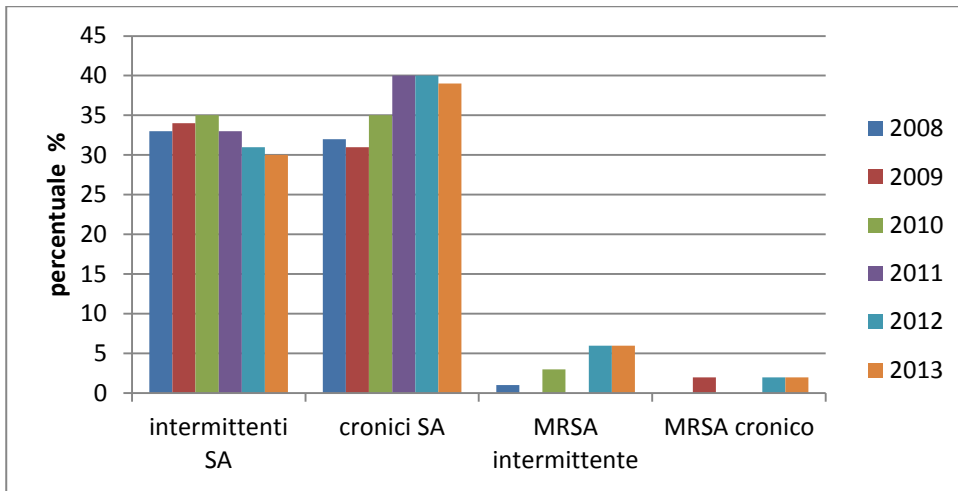
**Fig.21 Età media in anni dei nuovi riscontri di PA nel periodo 2008-2013**



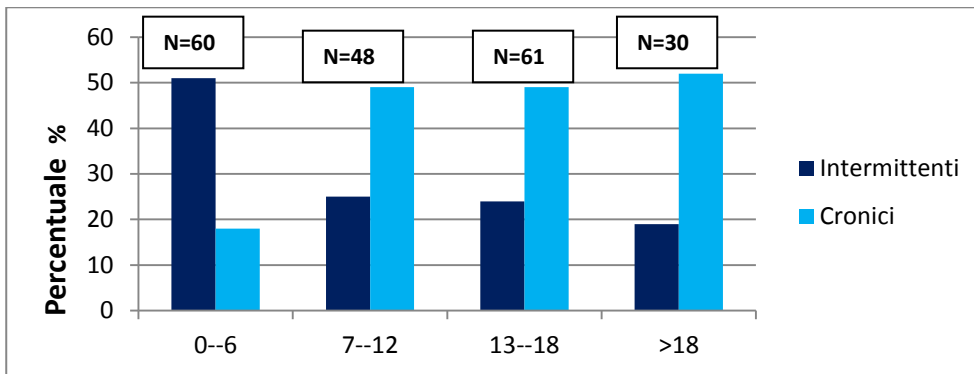
Nella figura 21 si valuta l'andamento dell'età media di primo riscontro di PA negli anni 2008-2013.

**Infezione da *Stafilococcus aureo* (SA)**

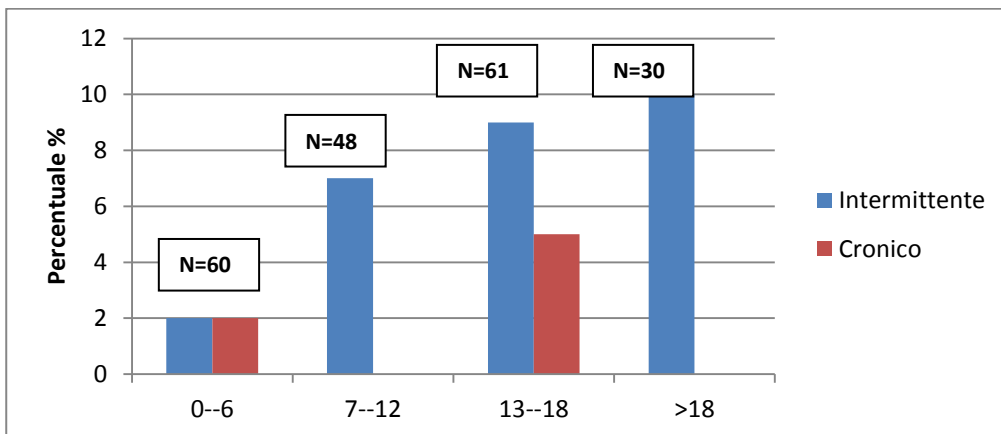
**Fig.22 Percentuale dei pazienti con infezione da SA negli anni 2008-2013**



**Fig. 23 Prevalenza di infezione cronica e intermittente da SA meticillino-sensibile per fasce di età nel 2013**



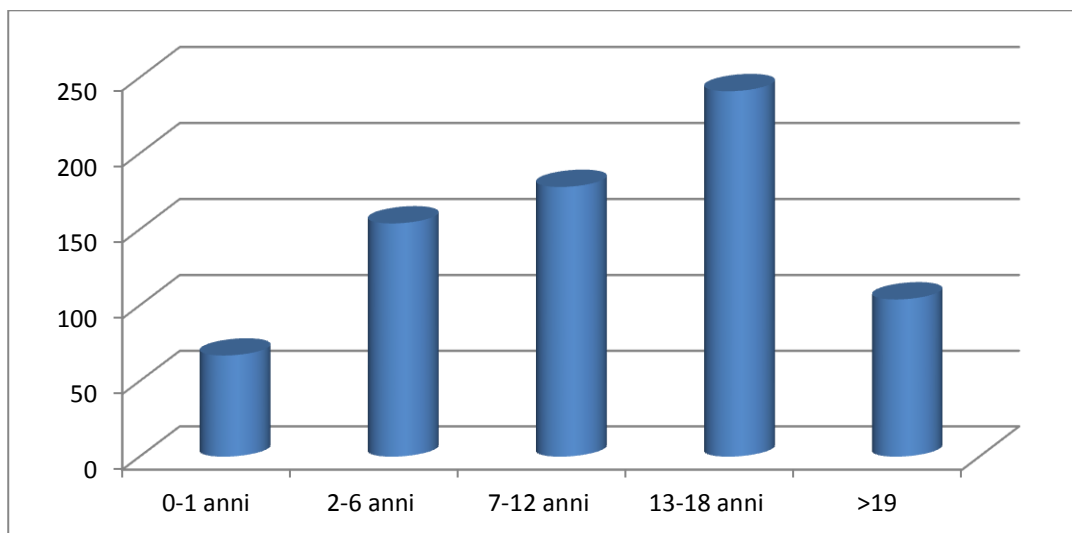
**Fig. 24 Prevalenza di infezione cronica e intermittente da SA meticillino-resistente (MRSA) per fasce di età nel 2013**



## Assistenza

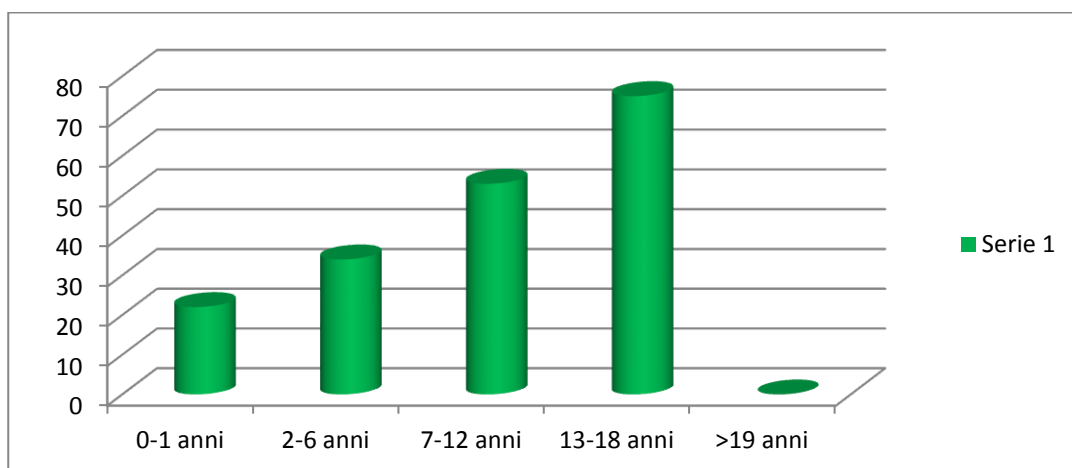
Una volta posta diagnosi di FC, i pazienti effettuano periodicamente DH (nel corso del primo anno di vita mensilmente, mediamente ogni 3 mesi successivamente, o più spesso quando necessario). Nel corso del 2013 sono stati effettuati 744 DH

**Fig.25 Numero di DH per fascia di età nell'anno 2013**



La **fig.25** mostra la stratificazione dei DH per fascia di età. Si osserva che il follow-up è più intenso nella fascia di età compresa tra 13-18 anni, epoca in cui si manifestano in modo più frequente le complicanze.

**Fig.26 Numero di ricovero per fascia di età nell'anno 2013**



Come si osserva dalla fig. 19 nel corso del 2013 sono stati effettuati 184 ricoveri. Il numero maggiore di ricoveri riguarda i pazienti tra 13 e 18 anni di età